**AUDIZIONE DI VERTEX PHARMACEUTICALS PRESSO LA XII COMMISSIONE AFFARI SOCIALI DELLA CAMERA DEI DEPUTATI**

Roma, 12 Nvembre 2019

Proposte di legge A.C. 164, A.C. 1317, A.C. 1666 e A.C. 1907, recanti *«Norme per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani e della cura delle malattie rare»*

Gentile Presidente, Onorevoli Deputati,

a nome mio e di Vertex Pharmaceuticals ringrazio la Commissione Affari Sociali della Camera dei Deputati per aver concesso l’opportunità di esprimere la nostra posizione con questa Audizione su temi molto importanti trattati nelle proposte di legge in oggetto. Temi che toccano diversi e fondamentali aspetti che impattano fortemente sulla vita di circa 2 milioni di malati rari, sulle loro famiglie e su tutti i soggetti che in diverso modo si impegnano per offrire loro una migliore qualità di vita e sempre nuove e migliori opportunità terapeutiche.

Vertex è stata fondata nel 1989 a Cambridge, Mass.e oggi ha sede nell’Innovation District di Boston e dispone di siti di ricerca e sviluppo e di uffici commerciali negli Stati Uniti e in Europa, Canada, Australia e America Latina, con oltre 2.500 dipendenti in tutto il mondo.

**Vertex è una società globale di biotecnologie che investe nell’innovazione scientifica al fine di creare medicinali trasformativi per le persone con malattie gravi e potenzialmente fatali**.

Opera nel settore delle **malattie rare, con una focalizzazione esclusiva sul trattamento della Fibrosi Cistica**, la più comune fra le malattie genetiche rare che colpisce - con esito mortale - bambini e giovani adulti. In Italia sono circa 6.000 i pazienti con Fibrosi Cistica, rendendolo il quarto paese nell’Unione Europea per prevalenza della malattia.

Vertex ha da sempre **investito significative risorse in Ricerca e Sviluppo, maturando una expertise specifica nel trattamento del difetto alla base della Fibrosi Cistica**. Se fino a pochi anni fa il trattamento della malattia era limitato alla gestione della condizione sintomatica, oggi grazie all’innovazione terapeutica introdotta si può parlare di pazienti “giovani adulti” con implicazioni di primaria importanza nella prospettiva e nella qualità di vita delle persone affette dalla patologia e delle famiglie che vivono quotidianamente la patologia con un impatto devastante.

**Ricerca e Sviluppo** sono dunque parte fondamentale delle nostre attività. Ricerca è, per Vertex, sinonimo di innovazione:

* il 60% dei dipendenti si dedica alle attività di Ricerca e Sviluppo
* dal 1989, anno di fondazione di Vertex, abbiamo investito oltre 11 miliardi di dollari in ricerca e sviluppo.
* negli ultimi cinque anni (2014-2018) abbiamo investito in media il 73% delle nostre risorse in ricerca e sviluppo: una percentuale maggiore rispetto alla media del 50% investito dalle altre aziende del settore nello stesso periodo
* siamo tra le poche aziende biotech, fondate a partire dal 1976, ad aver sviluppato interamente e portato sul mercato 4 o più farmaci.

La missione di Vertex per i prossimi anni è quella di proseguire su questa strada, arrivando auspicabilmente ad offrire un’opzione terapeutica per un numero sempre maggiore di pazienti e la possibilità di trasformare le vite di un numero sempre maggiore di famiglie.

Oltre ai programmi di sviluppo clinico nella fibrosi cistica, Vertex ha in corso più di una dozzina di programmi di ricerca in varie fasi di sviluppo in aree terapeutiche differenti focalizzati sui meccanismi alla base di altre malattie gravi:

* dolore acuto, infiammatorio e neuropatico;
* anemia falciforme e beta-talassemia;
* FSGS (glomerulosclerosi focale segmentaria);
* malattia renale policistica;
* Adrenoleucodistrofia (ALD);
* Carenza congenita di Alpha-1 Antitrypsin (AAT);

**Analisi proposte di legge**

Crediamo fortemente che la ricerca in campo scientifico abbia un impatto reale sulla vita delle persone (e non solo sui pazienti) e certamente il forte impegno in ricerca di molte aziende come Vertex, focalizzate nell’ambito delle malattie rare, può contribuire a dare una speranza a chi è affetto da tali patologie. Riteniamo che molto si possa ancora fare, nel dialogo con le Istituzioni politiche, tecniche e scientifiche, per creare una vera alleanza al servizio dei malati rari e in particolare dei pazienti con Fibrosi Cistica.

In linea generale tutte le proposte di legge presentate contengono punti molto importanti per l’area delle Malattie Rare e dei farmaci orfani: quello che auspichiamo è che il testo finale raccolga gli elementi più interessanti di ciascuna proposta per arrivare a un testo che possa avere un impatto positivo per tutti i pazienti e per le aziende che investono in ricerca. Nell’analizzare le proposte ci siamo soffermati in particolare su gruppi di tematiche, che sono le seguenti:

**ACCESSO ALLE TERAPIE**

I pazienti colpiti da malattie rare, gravi, fortemente invalidanti o che possono mettere in pericolo la loro vita, devono essere tutelati garantendo loro un tempestivo accesso ai trattamenti che hanno un'elevata valenza terapeutica e che rappresentano l’unica concreta possibilità di cura.

Inoltre, per dare una speranza di cura ai malati rari e ultrarari per la cui malattia non esiste ancora una terapia, si deve garantire la stabilità normativa che incentivi le aziende operanti in questo settore nello sviluppo e nella ricerca di nuove terapie.

Da ciò emerge la necessità di un **accesso veloce dei pazienti alle terapie**, in considerazione del fatto che spesso i farmaci orfani rappresentano l’unica speranza di cura per i pazienti affetti da malattia rara, e che questi non possono essere utilmente trattati con altre terapie.

1. **Inserimento diretto nei prontuari regionali dei farmaci orfani necessari per il trattamento delle malattie rare**

Si accoglie con favore la proposta, nella formulazione dell’articolo 6, comma 2, del disegno di legge A.C. 1907, che prevede l’immediata disponibilità e gratuità, tramite **l’automatico inserimento nei prontuari terapeutici regionali, dei farmaci necessari per il trattamento delle malattie rare**. Tale misura consentirebbe il superamento di lungaggini e difformità territoriali di accesso alle terapie che al momento limitano il diritto alla salute dei pazienti, assoggettandolo alla loro residenza.

Si propone di tenere in considerazione quanto stabilito nell’Accordo sull'accesso ai farmaci innovativi, stipulato in sede di Conferenza Stato-regioni nel 2010, secondo il quale le Regioni sono tenute a garantire ai pazienti l'immediata disponibilità dei farmaci innovativi, anche senza il loro formale inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri regionali. Tale obbligo è stato successivamente ribadito dal decreto legge 158/2012, stabilendo che l'immediata disponibilità deve essere prevista indipendentemente dall'inserimento dei medicinali nei Prontuari terapeutici ospedalieri o in altri elenchi analoghi predisposti dalle autorità regionali e locali.

**L’estensione di tale normativa anche ai farmaci orfani consentirebbe a quei pazienti che non possono essere utilmente trattati con altre terapie, di vedere assicurato – tramite l’accesso ad un nuovo trattamento non appena esso risulti autorizzato -il loro diritto alla tutela della salute** per come sancito dall’articolo 32 della nostra Carta Costituzionale.

1. **Procedura accelerata di valutazione da parte di AIFA ai fini della classificazione e della rimborsabilità di farmaci orfani**

Sarebbe auspicabile la corretta applicazione dell’articolo 12, comma 5-bis del Decreto-Legge n. 158 del 2012, “*Disposizioni urgenti per promuovere lo sviluppo del Paese mediante un più alto livello di tutela della salute*”, convertito con modificazioni dalla Legge n. 189 del 2012, che ha stabilito in cento giorni dal ricevimento della domanda da parte dell’azienda titolare di AIC di farmaci orfani, farmaci di eccezionale rilevanza terapeutica, od ospedalieri, il limite entro il quale debba concludersi la procedura di valutazione da parte di AIFA, ai fini della classificazione e della rimborsabilità da parte del Servizio sanitario nazionale. Tuttavia, Secondo quanto riportato nel Rapporto Annuale redatto dall’Osservatorio Farmaci Orfani, tale procedura, nel triennio 2015/2017, è durata in media 227 giorni (185 valore mediano). Nello specifico, sono in media 218 i giorni che trascorrono dalla prima riunione della Commissione Tecnico-Scientifica alla chiusura della procedura da parte del Comitato Prezzi e Rimborso.

**INCENTIVI ALLE IMPRESE**

**Gli Art. 11 A.C. 1317, art. 12 A.C. 1666 e art. 17 A.C. 164 contemplano incentive fiscali per** i soggetti pubblici e privati che si occupano di attività di ricerca/ investono in ricerca sulle malattie rare o sui farmaci orfani.

Tali articoli, di cui si riconosce l’assoluta validità ed importanza, sembrano non tenere conto però del processo di **revisione della governance farmaceutica dei farmaci orfani attuato con la Legge di Bilancio 2019**, che è andato, invece, nella direzione opposta modificando le tutele per questo delicato settore:

1. **Regime di innovatività per i farmaci orfani innovativi**

L’articolo 1, comma 584, della legge n. 145 del 2018 ha previsto che **i farmaci orfani che presentino anche caratteristica di innovatività siano considerati innovativi ai fini del calcolo del ripiano dell’eccedenza della spesa rispetto alla dotazione dei Fondi per l’acquisto di medicinali innovativi e innovativi oncologici**. Tale disposizione così formulata penalizza i farmaci orfani che presentano carattere di innovatività rispetto alle altre terapie disponibili, aggravando le aziende titolari di autorizzazione all’immissione in commercio di tali farmaci di un’ulteriore spesa per la sola presenza dell’elemento di innovatività definito quale valore terapeutico aggiunto rispetto alle altre terapie disponibili nel trattamento di una patologia grave.

**VALUTAZIONE DELLE TERAPIE**

1. **Revisione dei criteri di innovatività da parte di AIFA**

Il documento in materia di governance farmaceutica presentato dal Ministero della Salute lo scorso 10 dicembre 2018 ha previsto che AIFA predisponga una versione aggiornata del documento che disciplina i **criteri per il riconoscimento dell’innovatività dei farmaci**. È auspicabile la reale implementazione di tale aggiornamento e che tale procedura preveda – in particolar modo per i farmaci orfani e le terapie per le malattie rare - un maggiore coinvolgimento dell’azienda che presenta la richiesta di innovatività, adeguate modalità di confronto e dialogo tra l’azienda e l’AIFA per un migliore e più rapido inquadramento della patologia rara, del trattamento, nonché la previsione di parametri precisi finalizzati a una minore discrezionalità nell’applicazione e l’interpretazione dei criteri che definiscono il carattere innovativo della terapia.

Allo stesso modo è auspicabile la definizione di spazi di ascolto delle associazioni dei pazienti nella valutazione del beneficio terapeutico introdotto con la terapia.